



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/765820/2016
EMA/H/C/002720

Περίληψη EPAR για το κοινό

Translarna αταλουρένη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Translarna. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Translarna.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Translarna, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης που συνοδεύει το φάρμακο ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Translarna και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Translarna είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών ηλικίας 5 ετών και άνω με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne που μπορούν να βαδίζουν. Η μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne είναι μία γενετική νόσος η οποία σταδιακά προκαλεί αδυναμία και απώλεια της μυϊκής λειτουργίας. Το Translarna χρησιμοποιείται στη μικρή ομάδα ασθενών που πάσχουν από νόσο η οποία προκαλείται από μια συγκεκριμένη γενετική μετάλλαξη (καλούμενη ανερμηνεύσιμη μετάλλαξη) στο γονίδιο της δυστροφίνης.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Translarna χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 27 Μαΐου 2005.

Το Translarna περιέχει τη δραστική ουσία αταλουρένη.

Πώς χρησιμοποιείται το Translarna;

Το Translarna χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή, η δε έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από ειδικευμένο γιατρό με εμπειρία στην αντιμετώπιση της μυϊκής δυστροφίας τύπου Duchenne/Becker.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Πριν από την έναρξη της θεραπείας με Translarna, οι ασθενείς πρέπει να υποβληθούν σε γενετική εξέταση προκειμένου να επιβεβαιωθεί ότι η ασθένειά τους οφείλεται σε ανερμηνεύσιμη μετάλλαξη και ότι, ως εκ τούτου, ενδείκνυται η θεραπεία τους με Translarna.

Το Translarna διατίθεται σε μορφή κόκκων (125, 250 και 1.000 mg) για χορήγηση από το στόμα μετά την ανάμειξή τους με κάποια υγρή ή ημιστερεά τροφή (όπως γιαούρτι). Το Translarna λαμβάνεται τρεις φορές την ημέρα, η δε συνιστώμενη δόση είναι 10 mg/kg (10 mg ανά κιλό σωματικού βάρους) το πρωί, 10 mg/kg το μεσημέρι και 20 mg/kg το απόγευμα (συνολική ημερήσια δόση 40 mg/kg). Για περισσότερες πληροφορίες, ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Πώς δρα το Translarna;

Οι ασθενείς με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne παρουσιάζουν έλλειψη φυσιολογικής δυστροφίνης, μιας μυϊκής πρωτεΐνης. Επειδή η πρωτεΐνη αυτή συμβάλλει στην προστασία των μυών από τραυματισμούς κατά τη σύσπαση και χαλάρωση των μυών, οι μυς των ασθενών με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne καταστρέφονται και τελικά παύουν να λειτουργούν.

Η μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne μπορεί να προκληθεί από μια σειρά γενετικών ανωμαλιών. Το Translarna ενδείκνυται για χρήση σε ασθενείς των οποίων η ασθένεια οφείλεται σε ορισμένες ανωμαλίες (αποκαλούμενες ανερμηνεύσιμες μεταλλάξεις) στο γονίδιο της δυστροφίνης, με αποτέλεσμα να διακόπτεται πρόωρα η παραγωγή της φυσιολογικής δυστροφίνης και, ως εκ τούτου, να παρατηρείται έλλειψη δυστροφίνης και μη φυσιολογική λειτουργία των μυών. Το Translarna επιτρέπει στον μηχανισμό παραγωγής πρωτεΐνης στα κύτταρα των εν λόγω ασθενών να παρακάμπτει την ανωμαλία, με αποτέλεσμα τα κύτταρα να παράγουν τη λειτουργική πρωτεΐνη δυστροφίνη.

Ποιο είναι το όφελος του Translarna σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Translarna διερευνήθηκε αρχικά στο πλαίσιο μιας βασικής μελέτης στην οποία μετείχαν 174 ασθενείς με μυϊκή δυστροφία τύπου Duchenne που μπορούσαν να βαδίζουν. Χορηγήθηκαν δύο δόσεις Translarna (40 mg/kg και 80 mg/kg ημερησίως) και έγινε σύγκριση των αποτελεσμάτων με τα αποτελέσματα της χορήγησης εικονικού φαρμάκου (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η αλλαγή στην απόσταση που μπορούσαν να διανύσουν οι ασθενείς σε έξι λεπτά μετά από 48 εβδομάδες θεραπείας.

Παρότι η αρχική ανάλυση των αποτελεσμάτων βάσει όλων των στοιχείων της μελέτης δεν έδειξε σημαντικές διαφορές όσον αφορά την απόσταση που μπορούσαν να διανύσουν οι ομάδες ασθενών που λάμβαναν το Translarna και το εικονικό φάρμακο, οι περαιτέρω αναλύσεις κατέδειξαν ότι η ικανότητα βάδισης επιδεινώθηκε σε μικρότερο βαθμό στους ασθενείς που λάμβαναν 40 mg/kg Translarna ημερησίως σε σύγκριση με τους ασθενείς που λάμβαναν το εικονικό φάρμακο: μετά από θεραπεία 48 εβδομάδων, οι ασθενείς που λάμβαναν 40 mg/kg Translarna ημερησίως μπορούσαν να διανύσουν, κατά μέσο όρο, 31,7 μέτρα παραπάνω από τους ασθενείς που λάμβαναν το εικονικό φάρμακο. Παρατηρήθηκε ακόμη ισχυρότερη επίδραση στην υποομάδα ασθενών με επιδεινούμενη ικανότητας βάδισης: οι ασθενείς που λάμβαναν 40 mg/kg Translarna ημερησίως μπορούσαν να διανύσουν, κατά μέσο όρο, 49,9 μέτρα παραπάνω από τους ασθενείς που λάμβαναν το εικονικό φάρμακο. Η ευεργετική επίδραση της μικρότερης δόσης ενισχύθηκε επίσης από βελτιώσεις στους άλλους δείκτες μέτρησης της αποτελεσματικότητας, περιλαμβανομένων εκείνων που συνδέονται με τις καθημερινές δραστηριότητες των ασθενών. Καμία βελτίωση δεν παρατηρήθηκε με τη χορήγηση της μεγαλύτερης δόσης (των 80 mg/kg ημερησίως).

Μετά την αρχική έγκριση, ολοκληρώθηκε μία ακόμη μελέτη σε 230 ασθενείς με επιδείνωση της ικανότητας βάδισης, η οποία όμως δεν επέτρεψε την εξαγωγή πειστικών συμπερασμάτων. Ωστόσο, τα

στοιχεία καταδεικνύουν ότι το Translarna είχε θετικά αποτελέσματα σε διάφορους δείκτες μέτρησης, όπως το χρονικό διάστημα τρεξίματος/βάδισης 10 μέτρων, το χρονικό διάστημα ανόδου/καθόδου 4 σκαλιών και το χρονικό διάστημα μέχρι την απώλεια της ικανότητας βάδισης. Σε αμφότερες τις μελέτες αποδείχθηκε ότι η ευεργετική επίδραση του Translarna ήταν μεγαλύτερη στους ασθενείς που παρουσίασαν μέτρια επιδείνωση της ασθένειας.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Translarna;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Translarna (εμφανίζονται σε περισσότερα από 5 στα 100 άτομα) είναι έμετος, διάρροια, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), πονοκέφαλος, στομαχόπονος, μετεωρισμός (αέρια). Οι ανεπιθύμητες ενέργειες είναι συνήθως ήπιες ή μέτριας σοβαρότητας.

Το Translarna δεν πρέπει να χρησιμοποιείται ταυτόχρονα με ορισμένα αντιβιοτικά γνωστά ως αμινογλυκοσίδες όταν αυτά χορηγούνται με ενδοφλέβια ένεση.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Translarna περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Translarna;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού έκρινε ότι τα οφέλη του Translarna υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Παρότι πρέπει να υποβληθούν περαιτέρω στοιχεία, η CHMP έκρινε ότι υπάρχουν αποδείξεις ότι το Translarna επιβραδύνει την εξέλιξη της νόσου και ότι το προφίλ ασφάλειας του φαρμάκου δεν αποτελεί σοβαρό παράγοντα ανησυχίας. Η επιτροπή αναγνώρισε επίσης τη σοβαρότητα της μυϊκής δυστροφίας τύπου Duchenne και την ανάγκη αντιμετώπισής της.

Στο Translarna χορηγήθηκε «έγκριση υπό όρους». Αυτό σημαίνει ότι αναμένονται περισσότερες αποδείξεις σχετικά με το φάρμακο, τις οποίες καλείται να υποβάλει η εταιρεία. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Translarna αναμένεται να υποβληθούν;

Το καθεστώς «έγκρισης υπό όρους» του Translarna διατηρείται και η παρασκευάστρια εταιρεία θα διενεργήσει πρόσθετη μελέτη στην οποία το Translarna θα συγκριθεί με εικονικό φάρμακο προκειμένου να καταδειχτεί η αποτελεσματικότητα και η ασφάλεια του φαρμάκου.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Translarna;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Translarna.

Λοιπές πληροφορίες για το Translarna

Στις 31 Ιουλίου 2014, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Translarna.

Η πλήρης EPAR του Translarna διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Translarna, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Translarna διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 12-2016.